

## REAL WORLD EVIDENCE: UTILIZZO DI VOSORITIDE IN PAZIENTI AFFETTI DA ACONDROPLASIA

**Autori:** Noemi Vancheri; Sonia Mazzeo; Giuliano Polichetti; Claudia Velardi; Gerarda Chiavelli; Michela Pacillo; Emilia Bizzarro; Michelina Barbieri; Assunta Racca.

**Affiliazione:** AORN SAN PIO, UOC FARMACIA; Via dell'Angelo 1- 82100 Benevento.

**Contatti:** Noemi Vancheri, email: [noemivancheri@libero.it](mailto:noemivancheri@libero.it) – Tel. 082457224

### BACKGROUND E OBIETTIVI

L'acondroplasia è una malattia genetica rara a trasmissione autosomica dominante dovuta a una mutazione del gene codificante per il FGFR3 che porta a regolazione negativa dell'ossificazione endocondrale con conseguente displasia scheletrica.

Vosoritide è l'unico farmaco approvato per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i 2 e i 14 anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epifisi non siano chiuse. Il farmaco agisce legandosi al recettore NPR-B, riducendo l'attività dell'FGFR3 e stimolando la crescita ossea. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante analisi genetica.

Scopo di questo lavoro è valutare l'efficacia del farmaco innovativo in una coorte di pazienti arruolati presso la nostra azienda ospedaliera.



### MATERIALI E METODI

Attraverso il gestionale informatico aziendale e i Registri Aifa sono stati estrapolati i dati clinici relativi alle prescrizioni di Vosoritide effettuate da marzo 2023 ad agosto 2023. L'efficacia del farmaco è stata valutata confrontando i dati clinici opportunamente misurati e calcolati alla valutazione dell'eleggibilità del paziente al trattamento e alla prima rivalutazione del paziente dopo 3 trattamenti. I dati sono stati rielaborati mediante Excel.

### MATERIALI E METODI

Nel suddetto periodo sono state trattate 3 femmine con età rispettivamente di 11, 8 e 10 anni. Tutte hanno ricevuto il farmaco per 3 mesi alla dose di 15 mcg/kg al giorno. Al momento dell'eleggibilità al trattamento sono stati valutati e calcolati i seguenti dati clinici:

Peso corporeo- Peso corporeo Z-score- Altezza- Altezza Z-score- Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore.

Questi dati clinici sono stati rivalutati e calcolati dopo 3 trattamenti per valutare l'andamento. I dati ottenuti confrontati sono stati i seguenti:

PAZIENTE 1			PAZIENTE 2			PAZIENTE 3		
DATI CLINICI	ELEGGIBILITA'	1° RIVALUTAZIONE	DATI CLINICI	ELEGGIBILITA'	1° RIVALUTAZIONE	DATI CLINICI	ELEGGIBILITA'	1° RIVALUTAZIONE
Peso corporeo	29 KG	29,9 KG	Peso corporeo	18 KG	19 KG	Peso corporeo	22,9 KG	26 KG
Peso corporeo Z-score:	-1,11	-1,16	Peso corporeo Z-score:	-2,56	-2,35	Peso corporeo Z-score:	-2,33	-2,03
Altezza:	108 cm	111 cm	Altezza:	97 cm	97 cm	Altezza:	111 cm	113 cm
Altezza Z-score	-5,15	-4,82	Altezza Z-score	-5,43	-5,83	Altezza Z-score	-4,58	-4,37
Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore	1,70	1,84	Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore	1,76	1,74	Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore	1,92	2,89

Nessuno di essi ha sviluppato reazioni avverse al farmaco.

### CONCLUSIONI

Pur considerando la limitata dimensione del campione e il limitato intervallo temporale considerato, gli esiti clinici a tre mesi dall'inizio del trattamento, confrontati con i dati clinici all'eleggibilità, sono un esempio di real world di efficacia e tollerabilità. Tuttavia, bisognerà valutare, attraverso tali parametri clinici, l'efficacia nonché la sicurezza e tollerabilità in un intervallo di tempo più esteso e su una coorte maggiore.